

Mat-2.177 Operaatiotutkimuksen projektityöseminaari

Projektisuunnitelma

Kustannusvaikuttavuusmallin jatkokehitys  
entakaponille Parkinsonin taudin hoidossa

Ryhmä 4:  
Matti Heimonen  
Keijo Jaakola  
Netta Kuru  
Robin Gustafsson

## 1. Tausta

Parkinsonin tauti on yksi maailman yleisimmistä hermostosairauksista. Hermosolujen rappeutuminen aiheuttaa lihasten tärinää ja jäykkyyttä. Sairauden edetessä potilaan liikkuminen ja puhuminen vaikeutuvat ja hän dementoituu. Näin ollen tauti aiheuttaa elämänlaadun heikkenemistä niin potilaille kuin heidän hoivaajilleenkin, ja sen taloudelliset seuraamukset ovat myös tärkeitä. Parkinsonin tautiin ei ole parannuskeinoja, joten hoidon tarkoitus on parantaa potilaiden elämänlaatua. Levodopa on hallitseva lääke, mutta sen käyttöön liittyy ongelmia. Levodopan kanssa otetun entakaponin on kuitenkin todettu lisäävän lääkkeen käytettävyyttä. Tässä projektissa tutkitaan entakaponin kustannusvaikuttavuusmallia uusien tietojen valossa.

Tilastollinen herkkyysanalyysi on vahvasti syrjäyttämässä aiemmin käytetyt 'yksinkertaiset' herkkyysanalyysit. Viimeaikaisessa tieteellisessä kirjallisuudessa bayesilainen päätöksenteon teoria on haastanut näkyvästi klassisen frekventistisen tulkinnan luottamusväleihin. Päätöksenteon näkökulmasta luottamusvälit ovat epäoleellisia, joten EVPI (Expected Value of Perfect Information) tai muita tunnuslukuja tulisi hyödyntää lisäinformaation arvon määrittämiseksi. Modernit ohjelmistopakettit tarjoavat mahdollisuuden tehdä tilastollisia herkkyysanalyysieja verrattain vaivattomasti jopa monimutkaisillekin kustannusvaikuttavuusmalleille esim. Monte Carlo -simulaatiota käyttäen.

## 2. Tavoitteet

Päätavoite: Pyritään yhdistämään sekä kustannus- että vaikuttavuustieto päätöksentekoa tukevan mallin konstruoinnissa ja lasketaan mallia käyttäen entakaponihoidon kustannusvaikuttavuus.

- 1) Selvitetään mikä olisi paras lähestymistapa mallintamiseen ja rakennetaan malli
- 2) Yritetään kvantifioida mallin herkkyyttä parametrien muutoksille (tai parametreihin liittyvälle epävarmuudelle), jotta tiedettäisiin, mitkä parametrit ovat kriittisiä
  - Tutkitaan, voisiko tällaisen laskennan toteuttaa helposti (käyttäjäystävällisesti)
  - Selvitetään kätevin tapa etsiä kaikkein päätöksenteon kannalta olennaisimmat parametrit
- 3) Mietitään, miten mallia voisi parantaa, kun saadaan lisätietoa esim. potilaiden tilojen muutoksista pidemmältä aikaväliltä
- 4) Pyritään samalla pohtimaan, miten tuloksia tulisi tulkita päätöksenteossa, kun tunnetaan malliin liittyvät epävarmuudet
  - Odotetun hyödyn maksimointi
  - EVPI-lähestymistapa
  - Muut mahdolliset päätöksenteon mallit

### 3. Toimenpiteet

- 1) Perehtyminen toimialaan ja KVA:n perusteisiin päätöksenteon näkökulmasta
  - Tutustutaan Stakesin toimittamaan materiaaliin sekä tarpeen vaatiessa siinä mainittuihin viitteisiin
- 2) Perehtyminen KVA:n mittaamistapoihin tehtävän erityispiirteet huomioiden
  - Katsaus mallintamiseen liittyvään kirjallisuuteen
  - Lehdet: Medical Decision Making, Journal of Health Economics, Health Economics, Pharmacoeconomics jne.
- 3) Käytettävän datan läpikäynti ja menetelmät
  - Suunnitellaan ja sovitaan Stakesin kanssa analyysissä käytettävät muuttujat
  - Tehtävien rajaus ja fokus
  - Mallintamiseen tarvittavaan ohjelmistoon perehtyminen
- 4) Mallintaminen sekä tulosten laskeminen ja raportointi
  - Projektiryhmä tekee itsenäisesti
  - Herkkyysanalyysit
- 5) Loppuraportin kirjoittaminen ja viimeistely

### 4. Aikataulu

- 1) Perehtyminen toimialaan ja KVA:n mittaustapoihin sekä projektisuunnitelman teko
  - Helmikuu
  - Suunnittelupalaveri ma 3.2. klo 15 kirjaston ryhmätyötiloissa
  - Taustamateriaalin jako pe 7.2. klo 15.45 päärakennuksen kahvilassa
  - Materiaalin kierrätys ti 11.2. klo 14.50 kirjaston aulassa
  - Projektisuunnitelman esittely pe 14.2. klo 12 mikroluokassa
- 2) Käytettävän datan läpikäynti ja menetelmät sekä väliraportin teko
  - Maaliskuun alkupuoli
  - Dataan tutustuminen ke 5.3. klo 16 mikroluokassa
  - Projektiryhmän kokous ti 11.3. klo 9 Stakesissa, jonka jälkeen väliraportin tuottaminen
  - Väliraportin esittely pe 14.3. klo 12 mikroluokassa
- 3) Mallintaminen ja tulosten laskeminen
  - Maaliskuun loppupuoli
  - Mallin rakentaminen pe 14.3. klo 14 mikroluokassa
  - Herkkyysanalyysi ti 18.3. klo 12 mikroluokassa
- 4) Loppuraportin kirjoittaminen ja viimeistely
  - Huhtikuu
  - Loppuraportin viimeistely ja johtopäätökset ti 8.4. klo 12
  - Projektiryhmän kokous pe 11.4. klo 9 Stakesissa
  - Loppuraportin luovutus pe 25.4.
  - Projektityön esittely pe 2.5.

## 5. Resursointi

Projektin perehtymisvaiheessa jaotellaan tutustuttava materiaali työmäärän vähentämiseksi. Myös kirjallisuuskatsauksen kirjoittaminen sekä mahdollisesti osia loppuraportin kirjoittamisesta jaetaan projektiryhmän kesken. Muu työ tehdään projektiryhmän kokoontumisissa yhteistyönä.

Projektin arvioitu työmäärä on kolme henkilötyökuukautta.

Projektiryhmä:

- Matti Heimonen, projektipäällikkö
- Keijo Jaakola
- Netta Kuri
- Robin Gustafsson

Stakesin yhteyshenkilönä toimii Miika Linna.

## 6. Riskit

Projektin selkeästi suurin riski on työmäärän väärinarviointi, erityisesti liittyen herkkyyksianalyysiin ja mallin tekemiseen. Niihin jouduttaneen varaamaan lisääaikaa ja ylimääräisiä ryhmän kokoontumisia. On myös olemassa riski, että projektin rajaus tehdään ylioptimistisesti. Tämän ehkäisemiseksi tavoitteet on eritelty, jolloin voidaan luopua osasta tavoitteita, jos näyttää siltä, että resurssit eivät riitä.

Menetelmällisiä haasteita (perustyötä tehty jo):

- Taudin kulun mallintaminen (Markov-ketjut)
- Probabilistinen herkkyyksianalyysi simuloimalla (Monte Carlo)
- Mallin tarkentaminen uuden kertyneen informaation avulla